

'25년도 의약품 안전성·유효성 심사 방향

2025. 4. 11

의약품심사부



식품의약품안전처
식품의약품안전평가원

목차

- 01. 의약품 안전성·유효성 심사 규제 인프라 현황
- 02. '25년도 안전성·유효성 심사 개선 추진 계획
- 03. '25년도 가이드라인 제·개정 계획 공유

01.

- 의약품 안전성·유효성 심사 규제
인프라 현황

안전성·유효성 심사 관련 규정 제·개정 현황 (위해성관리제도)

- 「약사법」 제32조의2 (신약 등의 위해성 관리), 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제23조의2(신약 등의 위해성 관리 계획의 수립·제출 대상), 제23조의3 ('25.2.21 시행)
 - 신약, 희귀의약품, 첨단바이오의약품, 총리령으로 정하는 의약품*, 식약처장이 시판 후 안전성 등 우려가 있어 위해성 관리 계획 수립이 필요하다고 인정되는 경우
 - 신규성이 없거나, 안전성·유효성이 충분히 확보되었다고 인정하는 경우 위해성 관리 계획을 제출하지 않을 수 있음
- * 총리령으로 정하는 의약품
 1. 이미 품목허가를 받은 의약품과 유효성분의 종류 또는 배합비율이 다른 전문의약품
 2. 이미 품목허가를 받은 의약품과 유효성분은 동일하나 투여경로가 다른 전문의약품
 3. 이미 품목허가를 받은 의약품과 유효성분 또는 투여경로는 동일하나 명백하게 다른 효능·효과를 추가한 전문의약품
 4. 그 밖에 위해성 관리 계획을 제출할 필요가 있다고 식품의약품안전처장이 정하여 고시하는 의약품

■ '위해성 관리 계획 운영 등에 관한 규정' (2025.2.28. 제정)

제1조(목적), 제2조(정의), 제3조(업무기준서), 제4조(품목허가를 받은 자 및 안전관리책임자의 의무), 제5조(위해성 관리 계획의 작성), 제6조(위해성 관리 계획의 변경 등), 제7조(위해성 관리 계획의 이행 및 결과 제출 등), 제8조(위해성 완화 조치 이행 등), 제9조(제출자료의 신뢰성 조사 등), 제10조(문서 및 자료 등의 보존), 제11조(정보의 전달 등), 제12조(자문 등), 제13조(규제의 재검토)

의약품심사부 안전성·유효성 심사부서

- 안전성·유효성 심사, 임상시험계획서 심사, 사전검토, 재평가·재심사·위해성 관리 계획 자료 심사

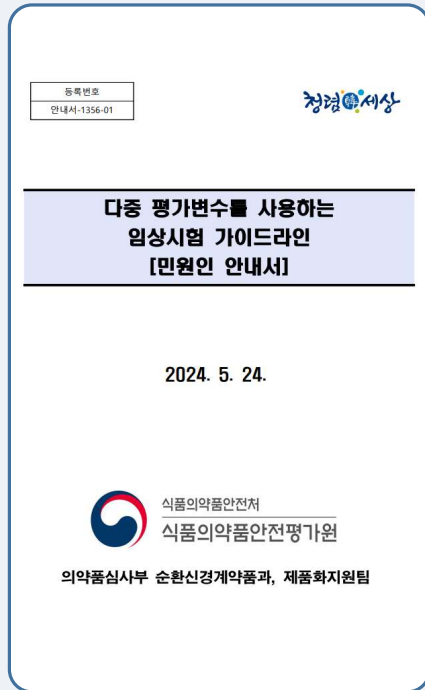
순환신경계약품과	종양항생약품과	약효동등성과
중추신경계용약(110) 말초신경계용약(120) 감각기관계용약(130) 기타의 신경계 및 감각기관용의약품(190) 순환계용약(210) 진통, 진양, 수렴, 소염제(264) 대사성의약품(390 제외) 마약(800) 따로 분류되지 않고 치료를 주목적으로 하지 않는 의약품(799)	알레르기용약(140) 호흡기관용약(220) 호르몬제(항호르몬제를 포함)(240) 비뇨생식기관 및 항문용약(250) 외피용약(260. 단, 264, 267, 268 제외) 기타의 개개의 기관용의약품(290) 조직세포의 기능용의약품(400) 항병원생물성의약품(600. 단, 630 제외) 진단용약(720) 공중위생용약(730)	소화기관용약(230) 기타 대사성의약품 (390)

* 출처 : 의약품허가보고서

'24년도 안전성유효성 심사 관련 가이드라인 마련 현황

제·개정	가이드라인명	담당부서
제정 ('24.5월)	다중 평가변수를 사용하는 임상시험 가이드라인	순환신경계약품과
개정 ('24.9월)	의약품 임상시험 계획(변경) 승인 보완사례집	종양항생약품과
개정 ('24.8월)	심혈관계 안전성 임상평가 가이드라인	순환신경계약품과
개정 ('24.10월)	의약품의 심실 재분극 지연(QT간격 연장) 비임상 평가 가이드라인	순환신경계약품과
제정 ('24.10월)	항암제 피임 권장 가이드라인	종양항생약품과
개정 ('24.10월)	항암제 임상시험 가이드라인	종양항생약품과
개정 ('24.11월)	가교자료 심사사례집	순환신경계약품과
제정 ('24.12월)	건선 치료제 임상시험 가이드라인	종양항생약품과
제정 ('24.12월)	크론병 치료제 임상시험 가이드라인	약효동등성과

다중 평가변수를 사용하는 임상시험 가이드라인 제정 ('24.5.)



순환신경계약품과

✓ 추진배경

- 임상시험의 통계원칙에 대한 가이드라인*을 운영하고 있으나, 다중평가변수**를 사용하는 경우 고려사항에 대한 상세 안내 필요

* 의약품 임상시험 통계 가이드라인(민원인안내서, 2016)

** 다중 평가변수: 하나 이상의 질병 양상 또는 결과변수를 사용하는 평가변수

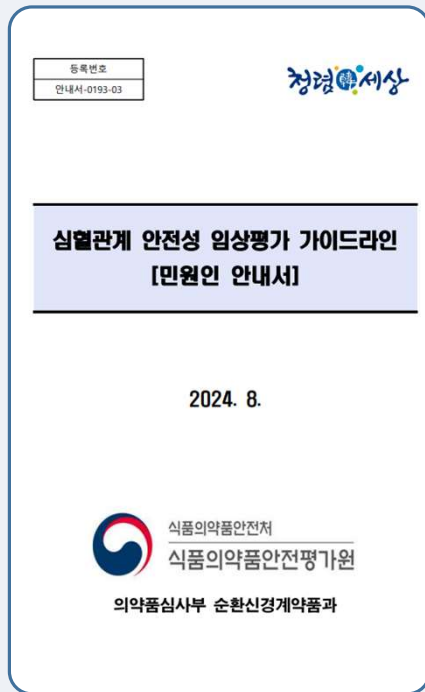
✓ 주요내용

- 다중 평가변수 및 다중성 문제에 대한 개괄적 설명
- 다중 평가변수의 유형 및 일반적 고려사항
- 다중성 문제를 다루기 위한 방법론 및 사례 제시

✓ 기대효과

- 최신 과학적 근거 반영 및 임상시험 통계분석계획 수립 시 실질적 도움 제공

심혈관계 안전성 임상평가 가이드라인 개정 ('24.8.)



순환신경계약품과

✓ 추진배경

- 심혈관계 안전성에 대한 임상 평가시 고려사항 추가 안내 및 국제조화
 - * "심혈관계 안전성 임상평가 가이드라인" 2015년 제정, 2020년 개정(질의응답 추가)
 - ** ICH E14/S7B Q&As [Clinical and Nonclinical Evaluation of QT/QTc Interval Prolongation and Proarrhythmic] (2022)

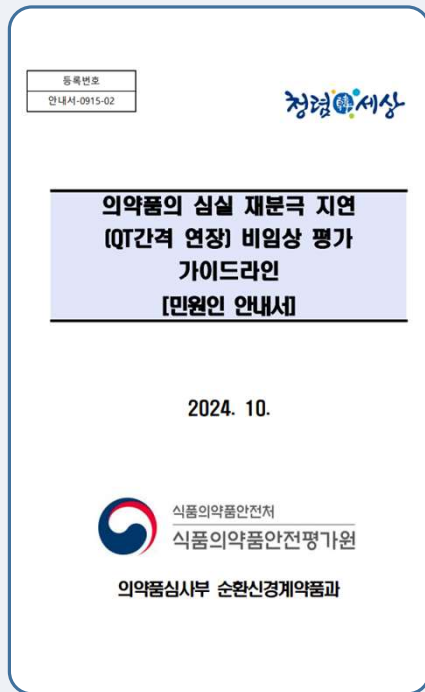
✓ 주요내용

- QTc 간격 자료에 대한 약물 농도-반응 모델링 사용 관련 안내
 - ✓ 여러 임상시험의 자료 통합 시 고려사항
- 통합 비임상 및 임상 QT/QTc 위해성 평가 방법 안내

✓ 기대효과

- 최신의 과학적 근거를 반영하여 통합적인 안전성 평가에 도움 제공

의약품의 심실 재분극 지연(QT간격 연장) 비임상 평가 가이드라인 개정 ('24.10.)



순환신경계약품과

✓ 추진배경

- 심혈관계 안전성에 대한 임상 평가 관련 질의응답 추가 안내
 - * "의약품의 심실 재분극 지연(QT간격 연장) 비임상 평가 가이드라인" 2018년 제정
 - ** ICH E14/S7B Q&As [Clinical and Nonclinical Evaluation of QT/QTc Interval Prolongation and Proarrhythmic] (2022)

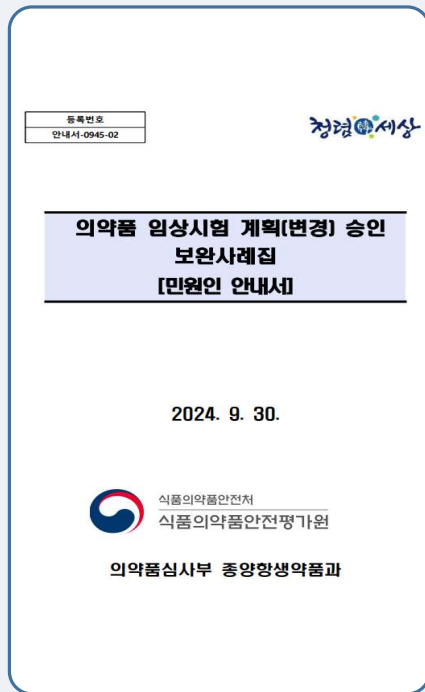
✓ 주요내용

- 비임상 정보를 통합 위해성 평가에 활용하기 위한 일반 전략
 - ✓ hERG 안전역 평가, in vivo 시험의 민감도
- in vitro 및 in vivo QT 시험을 위한 권장사항 및 모범사례 제시

✓ 기대효과

- 시험 수행 및 평가와 관련된 구체적인 사항을 반영하여 실질적인 도움 제공

의약품 임상시험 계획(변경) 승인 보완사례집 개정 ('24.9.)



종양항생약품과

✓ 추진배경

- 임상시험계획 승인 예측성 강화 및 신속한 임상시험 진입 도모 위하여 임상시험계획(변경) 승인 심사 시 보완사례 공유 필요

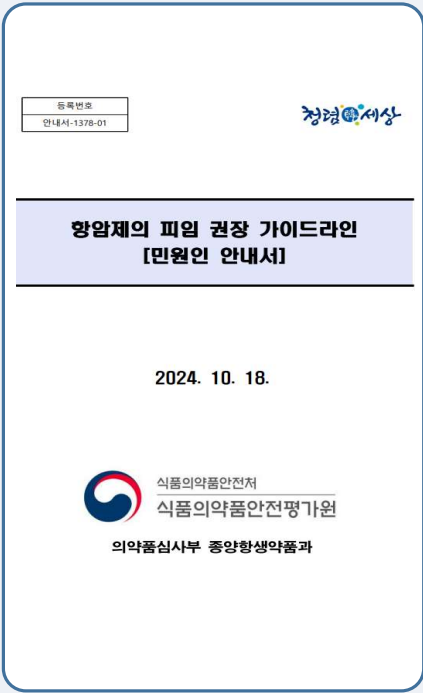
✓ 주요내용

- 임상시험 계획(변경) 승인 심사 시 최신 보완사항 분석 및 사례 제시
 - 질환 및 제제별 특성을 고려한 비임상, 임상시험계획서 관련 최신 보완사례 추가 반영(총 56건)

✓ 기대효과

- 보완사례 공유를 통한 유사 보완사례 사전 대비 및 심사 예측성 및 신속한 임상시험 진입 기대

항암제 피임 권장 가이드라인 제정 ('24.10.)



종양항생약품과

✓ 추진배경

- 항암제를 투여받는 환자에서 발생할 수 있는 유전적 손상의 잠재적인 위험을 최소화하고, 개발 과정과 허가 후 사용에서 적절한 피임기간을 결정하기 위한 권고사항 안내

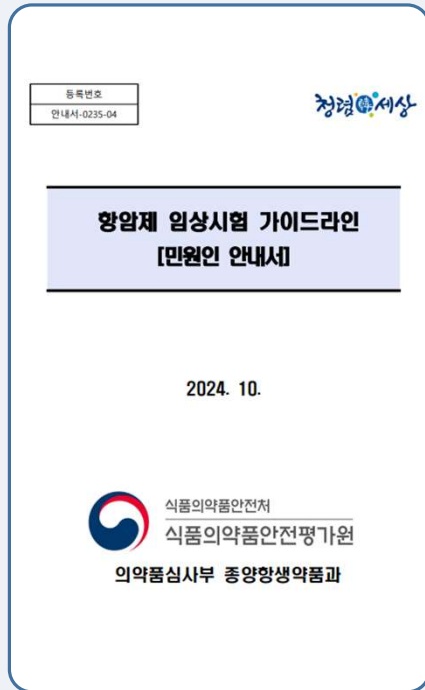
✓ 주요내용

- 비임상 유전독성 시험의 결과 및 환자 성별에 따른 의약품 투여 종료 후 피임기간의 구체적 설정방법 안내
- 유전독성이 있는 항암제의 임상시험 설계 시 시험대상자의 선정제외기준, 피임과 임신 및 출산 등 관련 고려사항 안내
- 항암제 허가사항 작성 시 피임기간 관련 고려사항 안내

✓ 기대효과

- 항암제 개발 시 환자의 안전 확보 도모

항암제 임상시험 가이드라인 개정 ('24.10.)



종양항생약품과

✓ 추진배경

- 환자 중심의 의료환경 패러다임이 변화함에 따라 항암제 임상시험 중 환자 관점에서 평가한 환자-보고 결과(PRO)*에 대한 개념과 적절한 평가 도구 선택 및 시험설계에 대한 고려사항 안내 필요

* 환자-보고 결과(Patient-Reported Outcome) 환자의 신체적, 정신적 증상, 기능, 삶의 질 등을 자기 평가 결과를 통해 건강 상태를 종합적으로 평가하는 방법

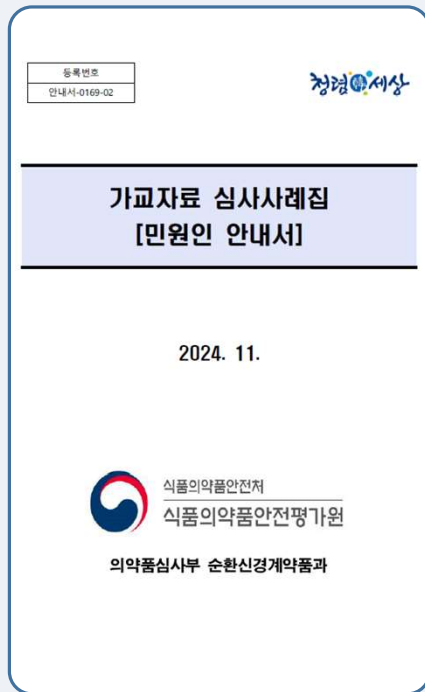
✓ 주요내용

- 핵심 PRO의 종류와 PRO 평가 도구의 선택방법 안내
- PRO 측정을 포함하는 항암제의 임상시험 설계/수행 및 허가사항 작성 시 고려사항 안내

✓ 기대효과

- 최신의 의료환경 반영 및 환자 중심 평가의 구체적 방법 제시를 통해 항암제 개발에 도움 제공

가교자료 심사사례집 개정 ('24.11.)



순환신경계약품과

✓ 추진배경

- 해외 개발 신약의 신속한 국내 도입을 위해 사례집 제정('15년) 이후 축적된 다양한 가교 심사사례 제공 요청('23.10. 산관 간담회)에 따라 개정 추진

✓ 주요 개정내용

- 신약 가교자료 심사현황 현행화
 - (기존, '15) 5년('09~'13) → (개정, '24) 최근 10년('14~'23)
- 다양한 가교자료 심사사례 추가
 - (기존, '15) 총 7품목 (화학 5품목, 유재 2품목) → (개정, '24) 추가 8품목 (화학 6품목, 유재 2품목)

✓ 기대효과

- 신약의 신속한 국내 도입을 위한 과학적, 기술적 지원
- 가교자료 작성 및 심사자에게 실질적 도움 제공

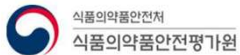
건선 치료제 임상시험 가이드라인 제정 ('24.12.)



청경·세상

건선 치료제 임상시험 가이드라인 [민원인 안내서]

2024. 12.



종양항생약품과

✓ 추진배경

- 난치성 건선 피부염 치료제 개발이 활발함에 따라 임상시험 수행시 고려사항 등에 대한 국제조화된 평가 가이드라인 제시 필요

✓ 주요내용

- 건선 치료제를 개발함에 있어 임상시험 수행 시 고려사항 안내
 - 일반적 고려사항, 대상자 선정, 시험설계 및 평가방법 등

✓ 기대효과

- 건선 치료제 개발 시 실질적 도움 제공 및 개발 촉진 도모

크론병 치료제 임상시험 가이드라인 제정 ('24.12.)



청량·세상

크론병 치료제 임상시험 가이드라인 [민원인 안내서]

2024. 12.



식품의약품안전처
식품의약품안전평가원

의약품심사부 약효동등성과

약효동등성과



추진배경

- 업계에서 크론병 치료제 개발을 위한 임상시험 관련 가이드라인 제정 요청
 - * 의약품심사소통단(CHORUS) 임상시험 분과 가이드라인 설문조사 결과('23.10.)



주요내용

- 임상시험 대상자 선정(크론병 증상·염증수준, 관해, 인구학적 특징), 임상시험 설계 고려사항 제시
- 유효성·안전성 평가 시 고려사항 등 심사 기준 안내
 - (유효성 평가) 치료목적: 증상 및 내시경적 관해 달성, 유지
 - (1차 평가변수) 증상 관해/내시경 관해 환자의 비율,
 - (2차 평가변수) 점막치유, 반응이 있는 환자, 조직학적 평가 등



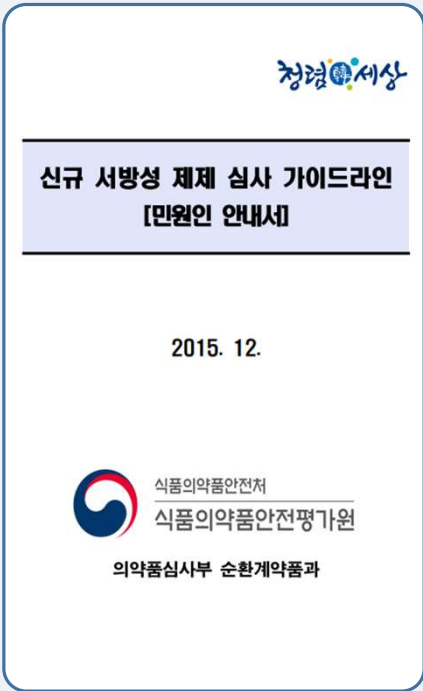
기대효과

- 중증·난치성질환 치료제 개발 지원

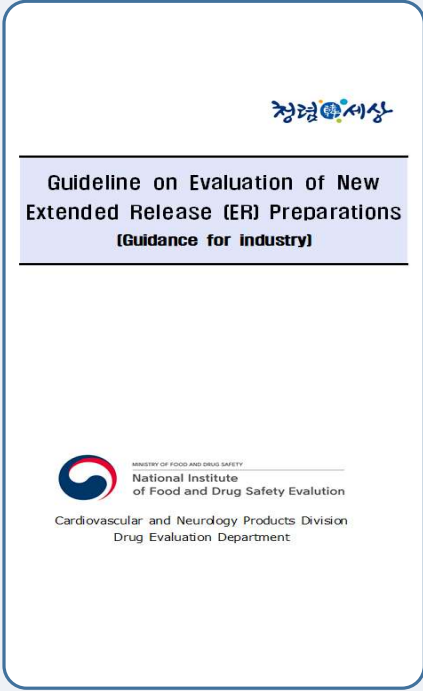
기타 - 안전·성유효성 심사 관련 규제서비스 지원



의약품 개발 단계별 인공지능(AI) 활용 소개
(예: 스크리닝, ADMET 예측, 임상시험 설계 등)



의약품 개발 및 수출 지원을 위한
민원인 안내서 영문판 마련



기타 - 안전·성유효성 심사 관련 규제서비스 지원

■ 식품의약품안전처 누리집 > 법령정보 > 공무원지침서/민원인 안내서

국민 안전이 기준입니다
YOUR SAFETY IS OUR STANDARD

공무원지침서/민원인안내서
지능형 검색 서비스

식품의약품안전처
국민안전

정보공개 / 국민소통 / 알림 / 법령/자료 / 정책정보 / 통계 / 식약처 소개

통합검색
검색어를 입력해주세요

법령/자료 / 법령정보 / 공무원지침서/민원인안내서

민원인안내서

공무원지침서 / 민원인안내서

전체 2건, 현재페이지 1/1

의약품	제목	서방성
2	신규 서방성 제제 심사 가이드라인 등록번호 조희수 739	2024-12-24
	신규 서방성 제제 심사 가이드라인(민원인안내서). 영문판.pdf	
1	신규 서방성 제제 심사 가이드라인 등록번호 안내사-0184-01 조희수 5231	2017-06-01
	안내사-0184-01 신규 서방성 제제 심사 가이드라인_순환계약품과.pdf	



공무원지침서/민원인안내서
지능형 검색 서비스

도움말 / 의견등록

민원인안내서 / 공무원지침서 / 신규 서방성

AI요약

식품의약품안전처에서는 서방성 제제 심사 관련 가이드라인을 제공하고 있습니다. 이 가이드라인은 서방성 제제의 정의와 관련 규정에 대해 상세히 설명하며, 개발 과정에서 고려해야 할 다양한 특성들에 대해 안내하고 있습니다. 또한, 제출하는 자료에 따라 변동되는 심사기준 절차를 흐름도로 제시하며, 심사 과정이 보다 명확하고 체계적으로 진행될 수 있도록 돕고 있습니다. 이러한 가이드라인은 서방성 제제를 개발하고자 하는 분들에게 유용한 정보를 제공할 것입니다. 자세한 내용은 아래의 관련 문서를 참고하시기 바랍니다.

① AI의 답변은 식품의약품안전처의 공식 답변은 아니며, 답변 내용은 참고용으로 활용하시기 바랍니다.

신규 서방성 제제 심사 가이드라인
안내사-0184-01 | 순환계약품과 | 2017-06-01

신규 서방성 제제 심사 가이드라인
null | 순환신경계약품과 | 2024-12-24

02.

- '25년 안전성·유효성 심사
개선을 위한 업무 추진 계획

'25년 안전·성유효성 심사 분야 의약품 개발지원 협의체

① 복합제 개발지원

✓ 추진배경

- 복약순응도 개선 목적 복합제의 효율적 개발을 위한 합리적 심사방안 마련
 - * 한국의약품수출입협회 요청사항

✓ 구성

- 산·관 협의체 (정부: 의약품허가·심사부서, 제약업계: 유관 협회 추천 관련 분야 전문가)

✓ 주요내용

- 고혈압·고지혈증 복합제에 대하여 병용투여 대체 목적의 복합제 개발 시 제출자료 요건 제공
- 복합제 임상시험 가이드라인 개정 ('25년)

'25년 안전·성유효성 심사 분야 의약품 개발지원 협의체

②

저함량 제제 개발지원

✓ 추진배경

- 실제 의료현장에서 치료 경험, 환자 복약 순응도 개선 등의 사유로 저함량 제제 제출자료 문의 증가

✓ 구성

- 산·관 협의체 (정부: 의약품허가·심사부서, 제약업계: 유관 협회 추천 관련 분야 전문가)

✓ 주요내용

- 저함량 제제에 대한 안전성·유효성 심사와 관련하여 과학적이고 합리적인 심사 자료 범위 및 요건 논의
- 시행착오 없는 의약품 개발지원을 위한 '신규 저함량 제제 개발 안내서(안)' 마련

안전·성유효성 심사 분야 의약품 개발지원 협의체

③ 일반의약품 개발지원

✓ 추진배경

- 소비자 선택권 보장 및 접근성 확대를 위한 일반의약품 개발 활성화 방안 마련 필요성 제기

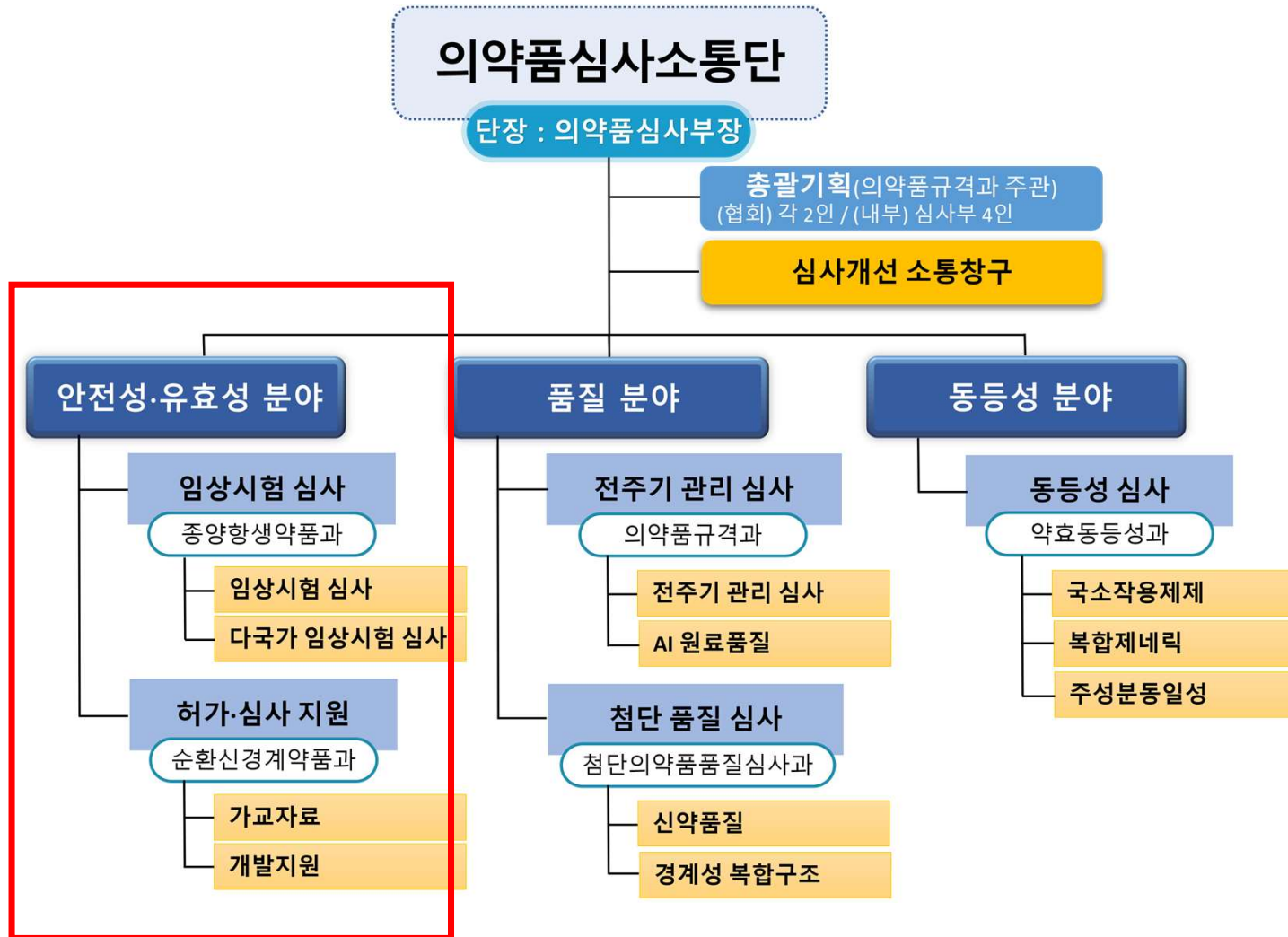
✓ 구성

- 산·관 협의체 (정부: 순환신경계약품과, 제약업계: 유관 협회 추천 관련 분야 전문가)

✓ 주요내용

- 일반의약품 개발 활성화를 위하여 일반의약품 안전성·유효성 심사개선 필요사항 발굴·논의
- 업계 논의를 통해 도출된 심사 개선사항 규제 정합성 등 검토

의약품심사소통단 (CHORUS)



의약품심사소통단 (안전·성유효성 분야) – 임상시험 심사 분과

CHORUS 임상시험 심사 분과

① 임상시험 소분과

☑ 운영배경

- 임상시험 발전을 위한 산·관 협업 강화 및 상시 소통채널 운영 필요
*애로사항 청취 및 불합리한 기준요건 개선을 통해 업계 불편·부담 해소

☑ 그간경과

- '24년 성과
 - 항암제 임상시험 관련 제개정 필요 가이드라인 조사 및 계획 수립
 - 건선 임상시험 가이드라인 제정, 임상시험계획 승인 보완사례집 개정 사례 조사
 - 제개정 필요 가이드라인 조사(항암제 임상시험 가이드라인 추가 제정 등)

☑ 운영계획

- 항암제 임상시험 선정기준 가이드라인, 용량 확장 코호트 설계 가이드라인 등 4개 제정
- 임상시험 가이드라인 제개정 수요조사 및 대상 선정
- 임상시험 심사정책에 대한 소통 역할로서 규제 개선 발굴

의약품심사소통단 (안전·성유효성 분야) – 임상시험 심사 분과

CHORUS 임상시험 심사 분과

② 다국가 임상시험 소분과

☑ 운영배경

- 임상시험 발전을 위한 산·관 협업 강화 및 상시 소통채널 운영 필요
* 애로사항 청취 및 불합리한 기준요건 개선을 통해 업계 불편·부담 해소

☑ 그간경과

- 임상시험분과 내 다국가임상시험심사 소분과 운영(24.8~)

☑ 운영계획

- 임상시험에 대한 국제조화된 분야별 가이드라인 제정
* 합성 펩타이드 의약품 임상시험 시 고려사항 가이드라인 등 3건
- 다국가 임상시험 심사관련 정책 수요자 중심 상시 소통 체계 운영
* (주제)항암제 초기임상시험 단계에서 환자 선정시 고려사항(비치료환자 선정 등)

의약품심사소통단 (안전·성유효성 분야) - 허·가심사 지원 분과

CHORUS 허가·심사 지원 분과

① 가교자료 소분과

운영배경

- 최근 국내외 임상시험 환경 변화, 가교자료 가이드라인 제정('08년) 후 축적된 다양한 심사경험 반영 등 안내서 현행화 필요

그간경과

- 제정('08.12) : 가교자료 제출면제사유서와 가교자료 설명서 작성방법 제시
* 가교자료 소분과 운영('24년~), 가교자료 심사사례집 개정('24.11)

운영계획

- 가교자료 가이드라인(민원인 안내서) 개정
* 가교자료 제출 면제 사례 추가, 최신 국내외 동향 반영 등

의약품심사소통단 (안전·성유효성 분야) - 허·가심사 지원 분과

CHORUS 허가·심사 지원 분과

② 개발지원 소분과

운영배경

- 의약품 첨부문서 작성 시 참고할 수 있는 지침·안내서 확대 필요성 제기
 - * 현재 규정과 기허가된 유사품목 허가사항 등을 참고하여 작성하고 있어, 허가사항을 작성하는데 도움이 필요한 항목 도출하여 기재방법 마련 필요

※ '의약품 허가사항 작성 관련 규정, 지침·안내서' 운영 현황

- (관련 규정) 「약사법」, 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」, 「의약품의 품목허가·신고·심사 규정」, 「의약품 표시 등에 관한 규정」
- (공무원 지침서) [GRP-MaPP-허가업무-01,-02] (일반)의약품 허가사항 (심사)검토시 일반적 고려사항 [GRP-MaPP-심사기준-19] 항암제 허가사항 작성요령
- (민원인 안내서) 의약품 사용상의 주의사항 중 임상시험 정보 기재 지침('22.8.), 약물상호작용연구 및 표시기재 가이드라인('15.12.)

운영계획

- 허가사항(용법·용량) 작성 가이드라인(민원인 안내서) 제정
 - * 공통 적용 사항, 제품의 제제학적 특성에 따른 기재 시 유의사항 등 안내

**03. • '25년도 안전성유효성 심사 관련
가이드라인 제·개정 계획**

'25년도 마련 예정 안전성유효성 관련 지·침가이드라인

·제개정 (예상일정)	지침·가이드라인명	·제개정 사유	담당부서
제정 (5월)	항암제 임상시험 선정기준 가이드라인	항암제 임상시험의 시험대상자 선정 시 고려사항 및 구체적 기준 제공	종양항생약품과
제정 (9월)	외부대조군 활용 시 고려사항	외부 대조군 활용 관련 가이드 제시 * '24년 CHORUS RWD/RWE 소분과 요청 등	순환신경계약품과
제정 (8월)	항암제 용량 확장 코호트 설계 가이드라인	항암제의 신속한 임상시험 진입을 위한 초기 용량 증량 단계 설계 시 고려사항 제공	종양항생약품과
제정 (10월)	허가사항(용법·용량) 작성 가이드라인	공통적용사항, 제품의 제제학적 특성에 따른 기재 시 유의사항 등 안내	순환신경계약품과
제정 (10월)	마이크로니들 의약품 개발 단계별 안전성·유효성 일반적 고려사항	마이크로니들 의약품 개발 단계별 안전성·유효성 일반적 고려사항 안내	약효동등성과
제정 (10월)	호흡기 세포융합 바이러스 치료제 임상시험 가이드라인	감염병 대비 치료제 개발 시 비임상시험 및 임상시험 설계시 고려사항 제공	종양항생약품과
제정 (12월)	비알코올성 지방간염 임상시험 가이드라인	비알코올성 지방간염 임상시험을 위한 대상환자군, 유효성·안전성 평가항목 등 안내	약효동등성과

'25년도 마련 예정 안전성유효성 관련 지·침가이드라인

·제개정 (예상일정)	지침·가이드라인명	·제개정 사유	담당부서
개정 (7월)	위해성 관리 계획 검토서 작성기준 (GRP-MaPP-23)	'위해성 관리 계획 운영 등에 관한 규정' ('25.2. 제정) 관련 내용 반영	순환신경계약품과
개정 (7월)	의약품의 위해성 관리 계획 평가 시 일반적 고려사항(GRP-MaPP-26)	'위해성 관리 계획 운영 등에 관한 규정' ('25.2. 제정) 관련 내용 반영	순환신경계약품과
개정 (10월)	복합제 임상시험 가이드라인	고혈압·고지혈증 복합제의 병용요법 입증을 위한 제출자료 요건 완화	순환신경계약품과
개정 (11월)	가교자료 가이드라인	다양한 가교자료 심사 사례, 제출자료 면제 사례 수록 등 가이드라인 현행화 * '24년 CHORUS 가교자료 소분과 요청 등	순환신경계약품과
개정 (11월)	신장애 환자 대상 임상시험 가이드 라인	말기 신장애 환자에서의 임상시험 평가방법 추가	종양항생약품과

감사합니다



식품의약품안전처

